



n. 59

publicado em agosto/2017  
DECISÃO FINAL em janeiro/2018

# RELATÓRIO PARA SOCIEDADE

informações sobre recomendações de incorporação  
de medicamentos e outras tecnologias no SUS

*TAFAMIDIS MEGLUMINA NO TRATAMENTO DA  
POLINEUROPATIA AMILOIDÓTICA FAMILIAR*



# RELATÓRIO PARA A SOCIEDADE

Este relatório é uma versão resumida do relatório técnico da Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC e foi elaborado numa linguagem simples, de fácil compreensão, para estimular a participação da sociedade no processo de avaliação de tecnologias em saúde que antecede a incorporação, exclusão ou alteração de medicamentos, produtos e procedimentos utilizados no SUS.

Todas as recomendações da CONITEC são submetidas à consulta pública pelo prazo de 20 dias. Após analisar as contribuições recebidas na consulta pública, a CONITEC emite a recomendação final, que pode ser a favor ou contra a incorporação/exclusão/alteração da tecnologia analisada.

A recomendação da CONITEC é, então, encaminhada ao Secretário de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde, que decide sobre quais medicamentos, produtos e procedimentos serão disponibilizados no SUS.

Para saber mais sobre a CONITEC, acesse <[conitec.gov.br](http://conitec.gov.br)>

## Polineuropatia amiloidótica familiar (PAF)

Polineuropatia é o termo utilizado para denominar uma condição onde as células nervosas do indivíduo são afetadas, promovendo distúrbios nos mecanismos de controle central e específico(periférico) do corpo, e conseqüentemente, no seu funcionamento normal. As principais manifestações das polineuropatias são: dores crônicas, formigamento e perda de sensibilidade em braços e pernas, cansaço, visão borrada, diarreia e outras incapacidades que podem surgir ou se intensificar com o passar dos anos e evolução da doença. A Polineuropatia Amiloidótica Familiar (PAF) é uma doença genética rara, hereditária e que se manifesta geralmente a partir dos 20 anos de idade. Entre os diversos tipos de amiloidoses, a polineuropatia amiloidótica familiar associada à transtirretina (PAF-TTR) ocorre quando ocorre defeito (mutação) no gene que produz a transtirretina, uma proteína importante que atua no transporte de hormônios e outras moléculas que regulam várias funções no organismo. Uma das importantes complicações causadas pela PAF-TTR é a cardiomiopatia, ou seja, um adoecimento cardíaco, neste caso, causado pelo acúmulo da proteína transtirretina defeituosa nas células do coração.

O número de casos de PAF no Brasil e no mundo não é preciso, mas acredita-se que no Brasil possa haver até 4.800 brasileiros com a PAF. **Por se tratar de uma doença rara, e que muitas vezes não é adequadamente diagnosticada, muitas pessoas só a descobrem quando já estão desenvolvendo sintomas em uma fase mais avançada da doença.** Trata-se de uma condição ainda sem cura. Os principais objetivos do tratamento são aliviar e evitar a formação de amilóides (agregados formados pelas proteínas defeituosas).

## Como o SUS trata os pacientes com polineuropatia amiloidótica familiar (PAF)

Até o momento, o SUS oferece tratamentos para os sintomas da doença, por meio de procedimentos previstos na **Política Nacional de Atenção às Pessoas com Doenças Raras**, além de oferecer o transplante de fígado, como opções disponíveis para os pacientes com PAF-TTR. Como a proteína transtirretina é produzida principalmente no fígado, o transplante desse órgão permite reduzir a principal fonte da proteína alterada, sendo indicado principalmente nas fases iniciais da doença (estágio I ou II). Contudo, a disponibilidade de órgãos para transplantes é limitada, e em alguns casos, os pacientes podem não atender aos requisitos mínimos para serem submetidos a um transplante.

## Medicamento analisado: Tafamidis meglulina

O Laboratório Pfizer LTDA solicitou à CONITEC a incorporação do tafamidis meglulina para o tratamento de polineuropatia amiloidótica familiar relacionada à proteína transtirretina (PAF-TTR) em pacientes adultos com polineuropatia sintomática em estágio inicial e não submetidos a transplante de fígado.

O tafamidis é um medicamento para uso oral, com indicação aprovada pela ANVISA para tratamento da PAF-TTR em pacientes adultos com polineuropatia sintomática, em estágio inicial ou intermediário, para atrasar o comprometimento neurológico periférico.

A CONITEC avaliou sete estudos apresentados pelo demandante e um estudo resultante de nova busca na literatura científica para avaliar a eficácia e segurança do tafamidis nessa população. De todos os estudos selecionados, apenas um deles foi considerado de melhor rigor metodológico, mesmo apresentando 20% de pacientes que não permaneceram até o fim do estudo, o que prejudica a análise dos resultados. **A comparação entre utilizar tafamidis em relação a**



**nenhum tratamento (placebo) mostrou potencial benefício do tratamento no que se refere ao comprometimento neurológico e à qualidade de vida dos pacientes. Contudo, a confiança desse resultado é considerada baixa.** Além disso, o benefício comparativo do tafamidis em relação a outras opções terapêuticas não foi avaliado nos estudos disponíveis.

A avaliação econômica realizada pelo demandante apontou um custo significativo para a implementação do tafamidis no SUS.

## Recomendação inicial da CONITEC

Foi considerada pelo Plenário da CONITEC a falta de opções terapêuticas para a doença, além da possibilidade de se estabelecer critérios definidos para inclusão ou exclusão de pacientes do tratamento, especialmente aqueles que não apresentarem boa resposta ao tratamento. Assim, os membros do plenário da CONITEC, presentes na 57ª reunião ordinária, realizada nos dias 05 e 06 de julho de 2017, recomendaram inicialmente a incorporação no SUS do tafamidis meglulina para o tratamento da polineuropatia amiloidótica familiar relacionada à proteína transtirretina (PAF-TTR) em pacientes adultos com polineuropatia sintomática em estágio inicial da doença, condicionada à elaboração de protocolo clínico e diretrizes terapêuticas e negociação de preço com o fabricante do medicamento. A recomendação foi disponibilizada em consulta pública por 20 dias.

## Resultado da consulta pública

O tema foi colocado em consulta pública, realizada entre os dias 04/08/2017 e 23/08/2017. Foram recebidas 834 contribuições, sendo 70 técnico-científicas e 764 sobre experiência ou opinião. A maioria das colaborações foram favoráveis à recomendação inicial da CONITEC, relatando, principalmente, melhora do quadro e não progressão da doença com o uso do medicamento.

A única contribuição totalmente contrária, feita por profissional de saúde especialista na área, argumentou que havia informações contraditórias no relatório da CONITEC e que a avaliação não analisou adequadamente outras opções de tratamento. Além disso, esse profissional também apresentou uma análise de impacto orçamentário que mostrou que o medicamento diflunisal, outra opção de tratamento, seria mais vantajoso quanto a custos e benefícios.

Levando em conta os importantes argumentos contrários à recomendação inicial, decidiu-se reavaliar o tema, retomando a análise das evidências e a discussão. Contudo, esclareceu-se que o diflunisal não possui registro sanitário no Brasil para nenhuma indicação de tratamento, assim como em outros países, para a doença. Desta forma, o plenário da CONITEC manteve sua recomendação inicial.



## Recomendação final da CONITEC

Os membros da CONITEC presentes na 62ª reunião ordinária, realizada no dia 07 de dezembro de 2017, recomendaram a inclusão ao SUS do tafamidis meglumina para tratamento da amiloidose associada à transtirretina em pacientes adultos com polineuropatia amiloidótica familiar sintomática em estágio inicial e não submetidos a transplante hepático, mediante negociação de preço e Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde.

## Decisão final

Com base na recomendação da CONITEC, o Secretário de Ciência, Tecnologia e Insumos Estratégicos do Ministério da Saúde, no uso de suas atribuições legais, decidiu incorporar o tafamidis meglumina para pacientes adultos com polineuropatia sintomática em estágio inicial e não submetidos a transplante hepático, mediante negociação de preço e Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas do Ministério da Saúde, no âmbito do Sistema Único de Saúde – SUS.

O relatório técnico completo de recomendação da CONITEC está disponível em:

< [http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2018/Relatorio\\_Tafamidis\\_PAF.pdf](http://conitec.gov.br/images/Relatorios/2018/Relatorio_Tafamidis_PAF.pdf) >



<http://conitec.gov.br>    twitter: @conitec\_gov    app: conitec

**CONITEC** Comissão Nacional de  
Incorporação de  
Tecnologias no SUS